



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/4952/2022
EMA/H/C/005646

Sapropterin Dipharma (*sapropterin*)

Ħarsa ġenerali lejn Sapropterin Dipharma u għalfejn huwa awtorizzat fl-UE

X'inhu Sapropterin Dipharma u għal xiex jintuża?

Sapropterin Dipharma huwa mediċina li tintuża biex tittratta livelli għolja ta' phenylalanine fid-demmi f'adulti u fi tfal ta' kull età b'disturbi ġenetiċi fenilketonurja (PKU) jew defiċjenza tetrahydrobiopterin (BH4).

Il-pazjenti b'dawn id-disturbi ma jistgħux jipproċessaw l-amino acid phenylalanine mill-proteina fid-dieta. B'riżultat ta' dan, il-phenylalanine tiżdied fid-demmi għal livelli għolja b'mod anormali, u dan jikkawża problemi fis-sistema nervuża.

Sapropterin Dipharma fih is-sustanza attiva sapropterin u huwa "mediċina ġenerika". Dan ifisser li Sapropterin Dipharma fih l-istess sustanza attiva u jaħdem bl-istess mod bħal "mediċina ta' referenza" diġà awtorizzata fl-UE msejha Kuvan. Għal aktar informazzjoni dwar il-mediċini ġeneriċi, ara d-dokument mistoqsijiet-u-twegibiet [hawnhekk](#).

Kif jintuża Sapropterin Dipharma?

Sapropterin Dipharma jiġi bħala pilloli li jinħallu jew bħala trab, li jinħallu fl-ilma u jinxtorbu. Il-mediċina tista' tinkiseb biss b'riċetta ta' tabib u t-trattament irid jinbeda u jiġi mmonitorjat minn tabib li jkollu esperjenza fit-trattament tad-defiċjenza ta' PKU u BH4. Huwa importanti li l-pazjenti jkomplu b'dieta baxxa fil-phenylalanine u l-proteini meta jieħdu Sapropterin Dipharma, u l-konsum tal-phenylalanine u l-proteini jrid ikun immonitorjat u aġġustat biex ikun assigurat li l-livelli ta' phenylalanine fid-demmi u l-bilanċ nutrizzjonali huma kkontrollati. Sapropterin Dipharma huwa maħsub għal użu fit-tul.

Id-doża tal-bidu ta' Sapropterin Dipharma tiddependi mill-piż tal-pazjent. Id-doża mbagħad tiġi aġġustata skont il-livelli tad-demmi tal-amino acid, inkluż phenylalanine. Sapropterin Dipharma jittiehed ma' iklar fl-istess ħin kuljum, preferibbilment filgħodu. Għal xi pazjenti bid-defiċjenza ta' BH4, id-doża jista' jkun li tkun trid tinqasam fi tnejn jew tliet dożi matul il-jum biex ikollha l-aqwa effett.

Rispons sodisfaċenti huwa definit bħala tnaqqis fil-livelli ta' phenylalanine fid-demmi ta' mill-inqas 30 % jew għal livell determinat mit-tabib. Jekk dan jinkiseb wara xahar, il-pazjent jiġi kklassifikat bħala "rispondent" u jkun jista' jibqa' jieħu Sapropterin Dipharma.



Għal iktar informazzjoni dwar l-użu ta' Sapropterin Dipharma, ara l-fuljett ta' tagħrif jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispjazzar tiegħek.

Kif jaħdem Sapropterin Dipharma?

Il-livelli għolja ta' phenylalanine fid-demm huma dovuti għal problema bit-tkissir ta' phenylalanine permezz tal-enzima "phenylalanine hydroxylase". Il-pazjenti bil-PKU għandhom verżjonijiet difettużi tal-enzima, u l-pazjenti bid-defiċjenza ta' BH4 għandhom livelli baxxi ta' BH4, "kofattur" li din l-enzima għandha bżonn biex taħdem sew.

Is-sustanza attiva f'Sapropterin Dipharma, is-sapropterin, hija kopja sintetika ta' BH4. F'pazjenti bil-PKU, din taħdem billi ssaħħa l-attività tal-enzima difettuż, filwaqt li fil-pazjenti bid-defiċjenza ta' BH4 tissostitwixxi l-kofattur nieqes. Dawn l-azzjonijiet jgħinu biex jerġa' jkun hemm l-abbiltà tal-enzima li tikkonverti l-phenylalanine f'tyrosine, biex b'hekk jitnaqqsu l-livelli tal-phenylalanine fid-demm.

Kif ġie studjat Sapropterin Dipharma?

Studji dwar il-benefiċċji u r-riskji tas-sustanza attiva fl-użijiet approvati diġà twettqu bil-medicina ta' referenza, Kuva, u m'għandhomx għalfejn jiġu ripetuti għal Sapropterin Dipharma.

Bħal fil-każ ta' kull medicina, il-kumpanija pprovdiet *data* dwar il-kwalità ta' Sapropterin Dipharma. Il-kumpanija wettqet ukoll studju li wera li huwa "bijoekwivalenti" għall-medicina ta' referenza. Żewġ medicini huma bijoekwivalenti meta jipproduċu l-istess livelli tas-sustanza attiva fil-ġisem u għalhekk huma mistennija li jkollhom l-istess effett.

X'inhuma l-benefiċċji u r-riskji ta' Sapropterin Dipharma?

Minhabba li Sapropterin Dipharma huwa medicina ġenerika u huwa bijoekwivalenti għall-medicina ta' referenza, il-benefiċċji u r-riskji tiegħu jitqiesu l-istess bħal dawk tal-medicina ta' referenza.

Għaliex Sapropterin Dipharma ġie awtorizzat fl-UE?

L-Aġenzija Ewropea għall-Medicini kkonkludiet li, b'mod konformi mar-rekwiżiti tal-UE, Sapropterin Dipharma wera li għandu kwalità komparabbli u huwa bijoekwivalenti għal Kuvan. Għaldaqstant, l-opinjoni tal-Aġenzija kienet li, bħal fil-każ ta' Kuvan, il-benefiċċji ta' Sapropterin Dipharma huma akbar mir-riskji identifikati u jista' jiġi awtorizzat għall-użu fl-UE.

X'miżuri qegħdin jittieħdu biex jiġi żgurat l-użu sigur u effettiv ta' Sapropterin Dipharma?

Fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u fil-fuljett ta' tagħrif ġew inklużi r-rakkomandazzjonijiet u l-prekawżjonijiet li għandhom ikunu segwiti mill-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa u mill-pazjenti għall-użu sigur u effettiv ta' Sapropterin Dipharma.

Bħal fil-każ tal-medicini kollha, id-*data* dwar l-użu ta' Sapropterin Dipharma hija mmonitorjata kontinwament. L-effetti sekondarji ssuspettati rrappurtati b'Sapropterin Dipharma huma evalwati bir-reqqa u kull azzjoni meħtieġa hi meħuda biex il-pazjenti jiġu protetti.

Informazzjoni oħra dwar Sapropterin Dipharma

Aktar informazzjoni dwar Sapropterin Dipharma tinstab fis-sit web tal-Aġenzija: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/sapropterin-dipharma. Informazzjoni dwar il-medicina ta' referenza tinstab ukoll fis-sit web tal-Aġenzija.